



энхансерные элементы цитомегаловируса.

7. rAAV по любому из пп. 1–6, отличающийся тем, что 5' ИКП AAV и/или 3' ИКП AAV получены из AAV2.

8. rAAV по любому из пп. 1–7, отличающийся тем, что векторный геном дополнительно содержит polyA.

9. rAAV по п. 8, отличающийся тем, что polyA является синтетической polyA или полученной из бычьего гормона роста (bGH), гормона роста человека (hGH), SV40, Р-глобулина кролика (RGB) или модифицированного RGB (mRGB).

10. rAAV по любому из пп. 1–9, который дополнительно содержит интрон.

11. rAAV по п. 10, отличающийся тем, что интрон получен из СВА, бета-глобулина человека, IVS2, SV40, bGH, альфа-глобулина, бета-глобулина, коллагена, овальбумина или р53.

12. rAAV по любому из пп. 1–11, который дополнительно содержит энхансер.

13. rAAV по п. 12, отличающийся тем, что энхансер представляет собой энхансер CMV, энхансер RSV, энхансер APB, энхансер ABPS, энхансер альфа mic/bik, энхансер TTR, en34, ApoE.

14. rAAV по любому из пп. 1–13, отличающийся тем, что геном вектора имеет размер от около 3 тысяч оснований до около 5,5 тысяч оснований.

15. rAAV по любому из пп. 1–14, отличающийся тем, что геном вектора имеет размер около 4 тысяч оснований.

16. Композиция, содержащая rAAV по любому из пп. 1–15 и фармацевтически приемлемый носитель или вспомогательное вещество, подходящая для доставки в центральную нервную систему.

17. Композиция, содержащая rAAV по любому из пп. 1–15 и фармацевтически приемлемый носитель или вспомогательное вещество, подходящая для ИЦВ интратекальной доставки.

18. Водная суспензия, подходящая для введения субъекту, имеющему болезнь Баттена, причем указанная суспензия содержит водную суспендирующую жидкость и от около  $1 \times 10^9$  кг (7,5×9 кг/г мозга) до около  $1 \times 10^{15}$  кг (1×12 кг/г мозга) или вирусных частиц рекомбинантного аденоассоциированного вируса (rAAV), применяемая в качестве терапевтического средства для болезни Баттена, при этом указанный rAAV имеет капсид AAV и упакованный в нем векторный геном, содержащий

- (a) последовательность 5' инвертированного концевого повтора (ИКП) AAV;
- (b) промотор;
- (c) кодирующую последовательность, которая кодирует TPP1 человека; и
- (d) 3' ИКП AAV.

19. Суспензия по п. 18, отличающаяся тем, что суспензия является подходящей для интратекальной доставки.

20. Суспензия по п. 18, отличающаяся тем, что суспензия является подходящей для интратекальной доставки, выбранной из ИЦВ и интратекальной люмбальной (ИТ-Л) инъекции.

21. Суспензия по любому из пп. 18–20, отличающаяся тем, что суспензия дополнительно содержит поверхностно-активное вещество, консервант и/или буфер, растворенный в водной суспендирующей жидкости.

22. Суспензия по любому из пп. 18–21, отличающаяся тем, что промотор состоит из нуклеотидов от 3396 до 4061 из SEQ ID NO: 5, а кодирующая последовательность, которая кодирует TPP1 человека, представляет собой SED ID NO: 3.

23. Суспензия по любому из пп. 18–22 отличающаяся тем, что 5' ИКП AAV представляет собой нуклеотиды от 3199 до 3328 из SEQ ID NO: 5, а 3' ИКП AAV представляет собой нуклеотиды 248–377 из SEQ ID NO: 5.

24. Суспензия по любому из пп. 18–23, отличающаяся тем, что векторный геном дополнительно содержит последовательность polyA из нуклеотидов 33–159 из SEQ ID NO: 5.

25. Суспензия по любому из пп. 18–24, отличающаяся тем, что капсид гAAV представляет собой капсид AAV9.

26. Способ лечения субъекта, имеющего болезнь Баттена, с помощью гAAV по любому из пп. 1–16, суспензии по любому из пп. 18–25 или композиции по п. 16 или 17.

27. Способ по п. 26, отличающийся тем, что доза гAAV составляет от около  $1 \times 10^9$  до около  $1 \times 10^{16}$  векторных геномов в водной суспензии.

28. Способ по любому из пп. 26–27, отличающийся тем, что указанную композицию вводят интратекально.

29. Способ по любому из пп. 26–27, отличающийся тем, что указанное интратекальное введение выбрано из ИЦВ и интратекальной люмбальной (ИТ-Л) инъекции.

30. Способ по любому из пп. 26–29, отличающийся тем, что указанный гAAV вводят в дозе от  $1 \times 10^9$  до  $1 \times 10^{13}$  гAAV в объеме, который содержит около или по меньшей мере 1–20 мл.

31. Способ по любому из пп. 26–30, отличающийся тем, что указанный субъект является человеком.

32. Применение гAAV по любому из пп. 1–16, суспензии по любому из пп. 18–25 или композиции по п. 16 или 17 для приготовления лекарственного препарата для лечения болезни Баттена.

33. Применение по п. 32, отличающееся тем, что доза гAAV составляет от около  $1 \times 10^9$  до около  $1 \times 10^{16}$  векторных геномов в водной суспензии.

34. Применение по любому из пп. 32–33, отличающееся тем, что указанную композицию вводят интратекально.

35. Применение по любому из пп. 32–33, отличающееся тем, что указанное интратекальное введение выбрано из ИЦВ и интратекальной люмбальной (ИТ-Л) инъекции.

36. Применение по любому из пп. 32–35, отличающееся тем, что указанный гAAV вводят в дозе от  $1 \times 10^9$  до  $1 \times 10^{13}$  гAAV в объеме, который содержит около или по меньшей мере 1–20 мл.

37. Применение по любому из пп. 32–36, отличающееся тем, что указанный субъект является человеком.